



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/161242/2019  
EMA/H/C/004538

## Waylivra (*volanesorsenas*)

### Waylivra apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas ES

#### Kas yra Waylivra ir kam jis vartojamas?

Waylivra – tai vaistas, kuriuo gydomas šeiminis chilomikronemijos sindromas – genetinė liga, dėl kurios kraujyje atsiranda daug riebalų, vadinamų trigliceridais. Riebalų perteklius kaupiasi įvairiose kūno dalyse ir sukelia tam tikrus simptomus, pavyzdžiui, pilvo skausmą, riebalų sankaupas poodyje ir pankreatitą (kasos uždegimą).

Waylivra, skiriamas kartu su mažo riebalų kiekio dieta, padeda sumažinti trigliceridų kiekį kraujyje pacientams, kuriems šeiminis chilomikronemijos sindromas patvirtintas genetiniais tyrimais. Jis skiriamas tik tiems pacientams, kuriems kiti trigliceridų kiekį mažinantys vaistai buvo neveiksmingi ir kuriems kyla didelė pankreatito rizika.

Šeiminis chilomikronemijos sindromas laikoma reta liga, todėl 2014 m. vasario 19 d. Waylivra buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141249).

Waylivra sudėtyje yra veikliosios medžiagos volanesorseno.

#### Kaip vartoti Waylivra?

Gaminamas į poodyį švirkščiamas Waylivra injekcinis tirpalas, kurį tinkamai šią procedūrą išmokyti atlikti pacientai arba juos slaugantys asmenys gali susišvirkšti patys.

Pradėjus gydymą, Waylivra vartojamas kartą per savaitę. Po 3 mėnesių pacientai, kurių kraujyje trigliceridų koncentracija sumažėjo pakankamai, vaistą gali vartoti kas 2 savaites. Po 6 ir 9 mėnesių injekcijų dažnis vėl tikslinamas atsižvelgiant į vaisto poveikį.

Kadangi Waylivra gali sumažinti trombocitų (kraujo krešėjimą skatinančių kraujo ląstelių) kiekį kraujyje, trombocitų kiekį pacientų kraujyje reikia reguliariai tikrinti; taip pat būtina nuolat stebėti trigliceridų koncentraciją, parodančią, ar vaistas veiksmingas. Priklausomai nuo rezultatų, galima keisti injekcijų dažnį arba gydymą laikinai sustabdyti arba nutraukti.

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą juo turi prižiūrėti šeiminio chilomikronemijos sindromo gydymo patirties turintis gydytojas. Daugiau informacijos apie Waylivra vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Kaip veikia Waylivra?**

Veiklioji Waylivra medžiaga volanesorsenas yra priešsprasminis oligonukleotidas – labai trumpas sintetinės RNR (genetinės medžiagos) fragmentas. Jis buvo sukurtas taip, kad slopintų baltymo, sulėtinančio riebalų, vadinamų apolipoproteinais C-III, skaidymą, gamybą. Slopindamas šio baltymo gamybą, vaistas sumažina trigliceridų kiekį kraujyje, ir dėl to organizme kaupiasi mažiau riebalų bei sumažėja pankreatito rizika.

## **Kokia Waylivra nauda nustatyta tyrimų metu?**

Tyrime su 67 šeiminiu chilomikronemijos sindromu sergančiais pacientais Waylivra veiksmingai sumažino trigliceridų kiekį kraujyje. Po 3 mėnesių trigliceridų koncentracija sumažėjo vidutiniškai 77 proc. Waylivra ir 18 proc. placebo (preparatą be veikliosios medžiagos) vartojusių pacientų organizme. Visi tyrime dalyvavę pacientai Waylivra arba placebo vartojo laikydamiesi mažo riebalų kiekio dietos.

## **Kokia rizika susijusi su Waylivra vartojimu?**

Dažniausias Waylivra šalutinis poveikis yra sumažėjęs trombocitų kiekis (galintis pasireikšti 4 žmonėms iš 10) ir reakcijos injekcijos vietoje – skausmas, patinimas, niežėjimas ar kraujosruvos (galintis pasireikšti 8 žmonėms iš 10).

Waylivra negalima vartoti pacientams, kuriems diagnozuota ilgalaikė arba nežinomos kilmės trombocitopenija (sumažėjęs trombocitų kiekis kraujyje).

Išsamų visų šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų, apie kuriuos pranešta vartojant Waylivra, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

## **Kodėl Waylivra buvo patvirtintas ES?**

Waylivra veiksmingai sumažina trigliceridų koncentraciją ir turėtų sumažinti pankreatito riziką šeiminiu chilomikronemijos sindromu sergantiems pacientams. Pagrindinė šio vaisto keliamą riziką yra trombocitopenija, kuri, pasireiškus sunkia forma, gali sukelti kraujavimą. Todėl pacientus būtina atidžiai stebėti ir, jei reikia, patikslinti injekcijų dažnumą.

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad pacientams, kuriems yra didelė pankreatito rizika ir kuriems kiti vaistai ir mažo riebalų kiekio dieta nepakankamai veiksmingi, Waylivra nauda yra didesnė už keliamą riziką ir kad jį galima leisti vartoti ES.

Waylivra registracija yra sąlyginė. Tai reiškia, kad ateityje apie šį vaistą bendrovė privalės pateikti daugiau duomenų. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią apžvalgą.

## **Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Waylivra?**

Kadangi Waylivra registracija yra sąlyginė, Waylivra prekiaujanti bendrovė pateiks tyrimo, pagrįsto pacientų registru, rezultatus, kurie leis suprasti, kaip praktiškai atliekami kraujo tyrimai ir tikslinamas injekcijų dažnumas, ir ar tai padeda išvengti trombocitopenijos ir kraujavimo.

## **Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Waylivra vartojimą?**

Waylivra gaminanti bendrovė pacientams ir sveikatos priežiūros specialistams pateiks mokomąją medžiagą su informacija apie trombocitopenijos ir kraujavimo riziką bei priemones jam sustabdyti, pabrėžiant, kaip svarbu reguliariai tikrinti trombocitų kiekį pacientų kraujyje.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Waylivra vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Waylivra vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Waylivra šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

## **Kita informacija apie Waylivra**

Daugiau informacijos apie Waylivra rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waylivra).